



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/790608/2017
EMA/H/C/000942

Résumé EPAR à l'intention du public

Nplate

romiplostim

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Nplate. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Nplate.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Nplate, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Nplate et dans quel cas est-il utilisé?

Nplate est utilisé à partir de l'âge d'un an chez les patients atteints de purpura thrombopénique idiopathique (PTI) chronique, une maladie dans laquelle le système immunitaire du patient détruit les plaquettes (composants du sang qui contribuent à sa coagulation). Les patients souffrant de PTI présentent un nombre faible de plaquettes et des risques de saignement.

Nplate est utilisé lorsqu'un traitement par des médicaments tels que les corticostéroïdes ou les immunoglobulines n'a pas fonctionné. Il peut être utilisé à la fois chez les patients ayant subi une ablation de la rate pour essayer de contrôler la maladie, ainsi que chez ceux qui ont toujours leur rate. La rate, un organe situé derrière l'estomac, intervient dans la destruction de plaquettes dans le sang.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par le PTI, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Nplate a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 27 mai 2005.

Nplate contient le principe actif romiplostim.

Comment Nplate est-il utilisé?

Nplate n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement des troubles sanguins.



Nplate est une poudre à reconstituer en solution injectable. Il est administré une fois par semaine par injection sous la peau. La dose de départ est fonction du poids du patient, puis ajustée pour maintenir le nombre de plaquettes aux niveaux visés. Le traitement doit être interrompu après quatre semaines de traitement à la dose maximale si le nombre de plaquettes n'est pas suffisamment élevé pour réduire le risque de saignement. Les adultes dont les taux de plaquettes sont stables peuvent s'injecter eux-mêmes le médicament après avoir reçu les instructions appropriées.

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Nplate agit-il?

Le principe actif de Nplate, le romiplostim, stimule la production de plaquettes. Dans l'organisme, une hormone appelée «thrombopoïétine» stimule normalement la production de plaquettes dans la moelle osseuse. Le romiplostim a été conçu pour se fixer sur les mêmes cibles (récepteurs) que la thrombopoïétine et les stimuler. En imitant l'action de la thrombopoïétine, le romiplostim stimule la production de plaquettes, augmentant ainsi leur nombre dans le sang et réduisant le risque de saignement.

Quels sont les bénéfices de Nplate démontrés au cours des études?

Deux études principales portant sur des adultes et une troisième étude portant sur des enfants ont montré que Nplate est efficace dans le traitement du PTI chronique. Toutes les études ont comparé Nplate à un placebo (un traitement fictif). Les patients ont été traités pendant 24 semaines et le principal critère d'évaluation de l'efficacité était l'augmentation du nombre de plaquettes au-dessus du seuil de 50 millions de plaquettes par millilitre pendant au moins six des huit dernières semaines de traitement. Un nombre de plaquettes inférieur à 30 millions par millilitre expose les patients à des risques de saignement, les taux normaux se situant entre 150 et 400 millions par millilitre.

La première étude portait sur 63 patients dont la maladie n'était pas contrôlée malgré une ablation de la rate. Le nombre de plaquettes a dépassé le seuil chez 38 % des patients qui ont reçu Nplate (16 patients sur 42), tandis qu'aucun patient sur les 21 recevant le placebo n'a constaté une telle amélioration.

La deuxième étude portait sur 62 patients dont le PTI avait été traité auparavant (mais n'ayant pas subi une ablation de la rate). Le nombre de plaquettes a dépassé le seuil chez 61 % des patients qui ont reçu Nplate (25 patients sur 41), contre 5 % des patients recevant le placebo (1 patient sur 21).

L'étude réalisée auprès d'enfants portait sur 62 patients âgés de un à 18 ans dont le PTI avait été traité auparavant (certains avaient subi une ablation de la rate). Le nombre de plaquettes a dépassé le seuil chez 52 % des patients qui ont reçu Nplate (22 patients sur 42), contre 10 % des patients recevant le placebo (2 patients sur 20).

Des études à long terme impliquant plus de 1 000 patients, certains traités pendant plus de cinq ans, ont confirmé que Nplate restait efficace tant chez les patients ayant subi une ablation de la rate que chez ceux ayant toujours leur rate.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Nplate?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Nplate chez les adultes (chez plus d'un patient sur 10) sont des maux de tête, des infections du nez et de la gorge et des réactions allergiques (hypersensibilité) telles que des éruptions cutanées, des démangeaisons et des gonflements rapides sous la peau. Les effets indésirables les plus couramment observés chez les

enfants sont des infections du nez et de la gorge, le nez qui coule, de la toux, de la fièvre, des douleurs dans la bouche et la gorge, des douleurs abdominales (ventre), de la diarrhée, des éruptions cutanées et des ecchymoses. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Nplate, voir la notice.

Nplate ne doit pas être utilisé chez les personnes présentant une hypersensibilité (allergie) au romiplostim, à l'un des autres composants ou aux protéines produites par *Escherichia coli* (une bactérie).

Pourquoi Nplate est-il approuvé?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Nplate sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

L'Agence a constaté que Nplate était efficace chez les patients qui avaient subi une ablation de la rate, ainsi que chez les patients qui n'avaient pas subi d'ablation de la rate. L'augmentation du nombre de plaquettes est durable et pertinente d'un point de vue clinique pour les deux groupes, bien que le traitement se contente de diminuer les symptômes et ne constitue pas un moyen de guérison. Par conséquent, chez les patients avec une rate intacte, la possibilité de la retirer devrait être évaluée de manière périodique.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nplate?

La société qui commercialise Nplate fournira aux médecins un «calculateur de posologie» pour les aider à calculer les volumes parfois très faibles de Nplate à injecter. Les médecins peuvent également recevoir un kit de formation pour l'administration à domicile, qui comprend du matériel sur la formation des patients qui s'injecteront eux-mêmes Nplate, et du matériel destiné aux patients sur la manière de préparer le médicament pour injection.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nplate ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Nplate:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Nplate, le 4 février 2009.

L'EPAR complet relatif à Nplate est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Pour plus d'informations sur le traitement par Nplate, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Nplate est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Dernière mise à jour du présent résumé: 12-2017.